ANEXA 4

**Cod formular specific: A16AX10**

**FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE ELIGIBILITATE AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC DCI ELIGLUSTAT**

**SECŢIUNEA I - DATE GENERALE**

**1. Unitatea medicală: ....................................................**

**2. CAS/nr. contract: .........../............**

**\_ \_ \_ \_ \_ \_**

**3. Cod parafă medic: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

**4. Nume şi prenume pacient: ..............................................**

**\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_**

**CNP/CID: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

**\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_**

**5. FO/RC: |\_|\_|\_|\_|\_|\_| în data: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

**6. S-a completat "Secţiunea II - date medicale" din Formularul specific cu codul: ..............**

\_ \_ \_

**7. Tip evaluare:** |\_| iniţiere |\_| continuare |\_| întrerupere

**8. Încadrare medicament recomandat în Listă:**

\_ \_ \_ \_

|\_| boala cronică (sublista C secţiunea C1), cod G: |\_|\_|\_|

\_ \_ \_ \_ \_

|\_| PNS (sublista C secţiunea C2), nr. PNS: |\_|\_|\_|\_|, cod de diagnostic

\_ \_ \_

(varianta 999 coduri de boală), după caz: |\_|\_|\_|

\_

|\_| ICD10 (sublista A, B, C secţiunea C3, D, după caz), cod de diagnostic

\_ \_ \_

(varianta 999 coduri de boală): |\_|\_|\_|

**9. DCI recomandat: ...................... DC ...............**

\_ \_

În doză de 2 x (1 capsulă 84 mg) / zi |\_|; 1 x (1 capsulă 84 mg) / zi |\_|

\_ \_

Reţeta se eliberează la interval de **4 săptămâni** |\_|; **8 săptămâni** |\_|

**10. \* Perioada de administrare a tratamentului:**

\_ \_ \_

|\_| 3 luni |\_| 6 luni |\_| 12 luni,

\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

**de la:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| **până la:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|

\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

**11. Data întreruperii tratamentului:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|

**12. Pacientul a semnat declaraţia pe propria răspundere conform modelului prevăzut în Ordin:**

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

\* Nu se completează dacă la **"tip evaluare"** este bifat **"întrerupere"**!

**SECŢIUNEA II - DATE MEDICALE** Cod formular specific **A16AX10**

**A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT**

**1. Diagnostic:** Boala Gaucher tip 1

**- diagnostic specific:**

\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

a) enzimatic\*1) ..................... data |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| |\_| DA |\_| NU

\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

b) molecular\*2) ..................... data |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| |\_| DA |\_| NU

\_

**2. Tipul de metabolizator prin intermediul CYP2D6: rapid (MR) |\_|**

**\_ \_**

**intermediar (MI) |\_| lent (ML) |\_|**

**3. Sunt eligibili pentru tratament pacienţii (cu vârsta >/= 18) ani care prezintă cel puţin unul dintre criteriile de includere enumerate mai jos:**

**A.1. Pentru pacienţii care nu au mai primit tratament specific pentru boala Gaucher:**

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

**Somatometrie:**

\_

1. talia ............... cm/SDS ................... |\_|

\_

2. greutatea ........... kg/IMC ................... |\_|

**a) Creştere viscerală:**

\_ \_

1. splenectomie: |\_| DA |\_| NU

dacă NU:

\_

2. volumul splenic (cmc .......... mN\*3) .........) |\_|

\_ \_ \_

splenomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

\_

3. volumul hepatic (cmc .......... mN\*4) .........) |\_|

\_ \_ \_

hepatomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

**b) Citopenie:**

\_ \_

1. Hb .............. g/dl ...................... < 10 g/dl |\_| DA |\_| NU

\_ \_

(datorată bolii Gaucher)? |\_| DA |\_| NU

\_ \_

2. Trombocite .............../mmc |\_| DA |\_| NU

\_ \_

Trombocitopenie < 60.000/mmc |\_| DA |\_| NU

\_ \_

3. Neutropenie ............../mmc; < 500/mmc |\_| DA |\_| NU

sau:

\_ \_

4. Leucopenie simptomatică cu infecţii |\_| DA |\_| NU

**c) Boală osoasă activă definită prin episoade osoase recurente: fracturi patologice, dureri, crize osoase, necroză avasculară:**

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

------------

\*1) valoare scăzută a β glucocerebrozidazei < 15 - 20% din valoarea martorilor

\*2) prezenţa unor mutaţii specifice bolii, în stare de homozigot sau heterozigot compus la nivelul genei β glucocerebrozidazei (localizată lq21)

\*3) multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr.) x 0,2] / 100

\*4) multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr.) x 2,5] / 100

**A.2. Pentru pacienţii care au primit până în acest moment tratament specific de substituţie enzimatică (Imiglucerasum sau Velaglucerasum)**

**Somatometrie:**

\_

1. talia ............... cm/SDS ................... |\_|

\_

2. greutatea ........... kg/IMC ................... |\_|

**a) Creştere viscerală:**

\_ \_

1. splenectomie: |\_| DA |\_| NU

dacă NU:

2. volumul splenic (cmc .......... mN\*3) .........)

\_ \_ \_

- splenomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

3. volumul hepatic (cmc .......... mN\*4) .........)

\_ \_ \_

- hepatomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

**b) Citopenie:**

\_ \_

1. Hb .............. g/dl ...................... < 10 g/dl |\_| DA |\_| NU

\_ \_

(datorată bolii Gaucher)? |\_| DA |\_| NU

\_ \_

2. Trombocite .............../mmc |\_| DA |\_| NU

\_ \_ \_

- trombocitopenie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

\_ \_

3. Neutropenie ............../mmc; < 500/mmc |\_| DA |\_| NU

sau:

\_ \_

4. Leucopenie simptomatică cu infecţii: |\_| DA |\_| NU

**c) Boală osoasă activă definită prin episoade osoase recurente: fracturi patologice, dureri, crize osoase, necroză avasculară** (precizaţi elementele prezente la pacient):

\_ \_

......................................................... |\_| DA |\_| NU

**B. CRITERII DE EXCLUDERE:**

**- afecţiuni cardiace preexistente** (insuficienţă cardiacă congestivă, infarct miocardic acut recent, tulburări de ritm, sindrom de interval QT prelungit)

\_

|\_|

\_

**- insuficienţă hepatică** |\_|

\_

**- insuficienţă renală** |\_|

**- medicamente incompatibile cu Eliglustat** (precizaţi numele medicamentului):

\_

.......................................................... |\_|

\_

**- sarcina şi alăptarea** |\_|

**C. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI (Tratamentul se continuă toată viaţa!)**

**1. Perioada de administrare a terapiei:**

\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

**Data iniţierii:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| **până la:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|

**2. Evoluţia manifestărilor clinice sub tratament:**

**a) Somatometrie:**

\_

1. talia ............... cm/SDS ................... |\_|

\_

2. greutatea ........... kg/IMC ................... |\_|

\_

**evoluţie:** - staţionar |\_|

\_

- creştere ponderală |\_|

\_

- scădere ponderală |\_|

\_ \_

**b) Organomegalia:** |\_| DA |\_| NU

\_ \_

1. splenectomie: |\_| DA |\_| NU

dacă NU:

2. volumul splenic (cmc .......... mN\*3) .........)

\_

**evoluţie:** - staţionară |\_|

\_

- ameliorare |\_|

\_

- normalizare |\_|

\_

- agravare |\_|

3. volumul hepatic (cmc .......... mN\*4) .........)

\_

**evoluţie:** - staţionară |\_|

\_

- ameliorare |\_|

\_

- normalizare |\_|

\_

- agravare |\_|

\_ \_

**c) Citopenie:** |\_| DA |\_| NU

1. Hb .................. g/dl

\_

**evoluţie:** - staţionară |\_|

\_

- ameliorare |\_|

\_

- normalizare |\_|

\_

- agravare |\_|

2. Trombocite ............./mmc

\_

**evoluţie:** - staţionară |\_|

\_

- ameliorare |\_|

\_

- normalizare |\_|

\_

- agravare |\_|

3. Neutrofile ............../mmc

\_

**evoluţie:** - staţionară |\_|

\_

- ameliorare |\_|

\_

- normalizare |\_|

\_

- agravare |\_|

\_ \_

**d) Boală osoasă** |\_| DA |\_| NU

1. clinic (în ultimele 6 luni):

\_ \_

- dureri |\_| **evoluţie:** - staţionară |\_|

\_ \_

- crize osoase |\_| - ameliorare |\_|

\_ \_

- fracturi patologice |\_| - normalizare |\_|

\_

- agravare |\_|

\_

2. IRM femur bilateral (se efectuează la 12 - 24 luni): |\_|

\_ \_

- infiltrare medulară |\_| **evoluţie:** - staţionară |\_|

\_ \_

- leziuni litice |\_| - ameliorare |\_|

\_ \_

- infarcte osoase |\_| - normalizare |\_|

\_ \_

- necroză avasculară |\_| - agravare |\_|

**3. Efecte adverse:**

\_

- absente |\_|

\_

- prezente (enumerare): |\_|

...................................................

...................................................

\_ \_

**4. Comorbidităţi importante pentru evoluţia pacientului:** |\_| DA |\_| NU

........................................................

**C. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI**

\_

**1.** Lipsa de complianţă a pacientului |\_|

**2.** Efecte adverse severe: sincopa (excepţională, de altfel, în experienţa raportată la aceşti pacienţi în absenţa unor factori de risc predispozanţi); se indică tratament de substituţie enzimatică

\_

|\_|

\_

**3.** Decesul pacientului |\_|

**4.** Alte cauze: - hipersensibilitate la substanţa activă sau la oricare dintre excipienţi

\_

|\_|

- comorbidităţi sau medicaţie incompatibile cu tratamentul cu Eliglustat (conform protocolului DCI Eliglustat)

\_

|\_|

\_

- sarcină şi alăptarea |\_|

În aceste situaţii se va indica tratament de substituţie enzimatică.

Subsemnatul, dr. ............................., răspund de realitatea şi exactitatea completării prezentului formular.

\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

Data: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| Semnătura şi parafa medicului curant

Originalul dosarului pacientului, împreună cu toate documentele anexate (evaluări clinice şi buletine de laborator sau imagistice, consimţământul informat, declaraţia pe propria răspundere a pacientului, formularul specific, confirmarea înregistrării formularului etc.), constituie documentul-sursă faţă de care se poate face auditarea/controlul datelor completate în formular.